

Őssejtekkel kezelhető betegségek

Standard therapiák a National Marrow Donor Program szerint

Az alábbiakban felsoroljuk azokat a főbb betegségcsoportokat, melyek esetén az őssejt therápiát már alkalmazták, illetve ennek alkalmazása szóba jöhet. Transzplantációhoz használható őssejtek nyerhetők a csontvelőből, előkezelés után a perifériás vérből és a köldökzsinórvérből.

Leukaemiák és lymphomák

A lymphoma a nyirokrendszer rosszindulatú daganatos betegsége. Lymphoma esetén a lymphocyták rákos sejtekként kezdenek viselkedni. A leukaemia a vérképzőszervrendszerből kiinduló rosszindulatú rákos megbetegedés. Leukaemia esetén a vérsjtképzés folyamata kórossá válik, és kontrollálatlan sejtburjánzás kezdődik el.

- Akut lymphoblasztos leukaemia
- Akut myeloid leukaemia
- Krónikus lymphocytás leukaemia
- Krónikus myeloid leukaemia
- Hodgkin lymphoma
- Non-Hodgkin lymphoma
- Juvenilis myelomonocytás leukaemia

Myeloma multiplex és egyéb plazmasejtes betegségek

A csontvelő plazmasejtjeinek rosszindulatú daganata.

Súlyos aplasztikus anaemia és egyéb csontvelő elégtelenségek

Ezek a betegségek a csontvelőt felépítő sejtek nem megfelelő működésének eredményeként alakulnak ki.

- Amegarakariocytás / veleszületett thrombocytopenia
- Fanconi anaemia
- Paroxysmális nocturnális hemoglobinuria
- Tiszta vörösvérsejt aplasia
- Súlyos aplasztikus anaemia

SCID és egyéb öröklött immunrendszeri betegségek

Az immunrendszer hiányos működésének következtében kialakult betegségcsoport, mely elsősorban a fertőzésekkel szembeni csökkent védekezőképességben nyilvánul meg.

- Súlyos kombinált immunhiány (SCID, összes altípus)
- Wiscott-Aldrich-szindróma

Hemoglobinopátia

A vérben jelen lévő, oxigént szállító hemoglobin szerkezetében bekövetkezett rendellenesség okán és a kóros hemoglobin nem megfelelő működésének eredményeként fellépő genetikai betegségek.

- Béta-thalassemia Major
- Sarlósejtes anaemia

Hurler-szindróma és egyéb öröklött metabolikus rendellenességek

Az anyagcserebetegségek a betegségek azon csoportja, amelyek kialakulását valamely enzim elégtelen termelődése, hiánya vagy az enzim hibás működése eredményezi. Az enzim működésének hiányában az anyagcsere zavart szenved és a szervezetre/szervre káros, közbeeső anyagcsere termékek szaporodhatnak fel.

- Adrenoleukodystrophia
- Hurler-szindróma (MPS-IH)
- Metachromatikus leukodystrophia

Myelodiszpláziás és myeloproliferatív betegségek

Valamely csontvelői sejttípus éretlen elő-alakjának és érett alakjának túlzott termelődése okozta csontvelő működési zavar.

- Agnogén myeloid metaplasia (Myelofibrosis)
- Krónikus myelomonocytás leukaemia
- Refrakter anaemia (összes típus)

Familiaris erythrophagocitás lymphohistiocytosis és egyéb histiocytás betegségek

Erre a betegségcsoportra jellemző az immunsejtek számának megemelkedése, amelyeket histiocytáknak nevezünk. A megnövekedett számú immunsejtek a szervezet különböző részein daganatokat képezhetnek.

Egyéb rosszindulatú elváltozások

Forrás:

1. National Marrow Donor Program
(http://marrow.org/Patient/Disease_and_Treatment/About_Your_Disease/Learning_More_about_Your_Disease.aspx)
2. Broxmeyer, Hal E. Enhancing engraftment of cord blood cells via insight into the biology of stem/progenitor cell function.
Annals of the New York Academy of Sciences. Issue: Hematopoietic Stem Cells VIII